

# GENE THERAPY FOR PATIENTS WITH FANCONI ANEMIA

## INNOVATION DESCRIPTION:

The present invention provides compositions and methods for rescuing FANCA expression in cells with diminished or no FANCA gene product. In particular, methods and compositions for gene therapy of Fanconi anemia are disclosed.

## APPLICANTS:

- FUNDACIÓN PARA LA INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA DEL HOSPITAL INFANTIL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS (10 %)
- CIEMAT - CENTRO DE INVESTIGACIONES ENERGETICAS, MEDIOAMBIENTALES Y TECNOLOGICAS (70%)
  - CIBER - CONSORCIO CENTRO DE INVESTIGACION BIOMEDICA EN RED (15%)
- FUNDACION INSTITUTO DE INVESTIGACION SANITARIA FUNDACION JIMENEZ DIAZ (5%)

## IPR STATUS:

International application: PCT/US2017/050837

Publication: WO/2018/049273

## FURTHER DETAILS:

Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús

[fibhnjs@salud.madrid.org](mailto:fibhnjs@salud.madrid.org) / TLF: 608 718 339

